

PUBLIÉ LE 22/02/2022

Avis et recommandations du Comité des médicaments pédiatriques (PDCO) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) – Réunion du 7-10 septembre 2021

EUROPE - AVIS DU PDCO

Ce Comité est chargé notamment de l'évaluation des PIPs (Plans d'Investigations Pédiatriques) qui encadrent les programmes de développement en qualité préclinique et clinique des médicaments destinés à la population pédiatrique (de la naissance à 17 ans inclus), ainsi que des dérogations et reports de développement en pédi1atrie.

Le PDCO vérifie la réalisation du programme d'études tel que prévu par les PIPs préalablement à toute nouvelle demande d'AMM ou de variation d'AMM (indication, formulation, voie d'administration) conformément au Règlement Européen Pédiatrique.

Le PDCO a rendu au cours de cette session 15 avis favorables de PIPs dans les indications suivantes :

- Traitement de l'hypercholestérolémie et de la dyslipidémie mixte et pour l'oligonucléotide anti-sens (ASO) AZD8233 sodium, ciblant PCSK9,
- Traitement du diabète de type 2 pour le 2-[(4-{6-[(4-cyano-2-fluorobenzyl)oxy]pyridin-2-yl}piperidin-1-yl)methyl]-1-[(2S)-oxetan-2- ylmethyl]-1H-benzimidazole-6-carboxylic acid tris(hydroxymethyl) aminomethane sel (1:1),
- Traitement de la maladie à coronavirus de 2019 (COVID-19) pour le propan-2-yl (2S)-2-{[(S)-({(2R,3R,4R,5R)-5-[2-amino-6-(methylamino)-9H-purin-9-yl]-4-fluoro-3- hydroxy-4-methyloxolan-2-yl}methoxy) (phenoxy)phosphoryl]amino}propanoate; acide sulfurique (2 :1) (AT-527 / RO7496998),
- Traitement de la stéatohépatite non alcoolique pour le sémaglutide,
- Traitement du syndrome de l'intestin court pour le glépaglutide,
- Traitement de l'arthrite idiopathique chronique (y compris la polyarthrite rhumatoïde, l'arthrite psoriasique, la spondylarthrite ankylosante et l'arthrite idiopathique juvénile) pour l'adalimumab conjugué avec l'acide (4S)-4-[2-(2-bromoacetamido)acetamido]-5-{3-[(4- {(4aR,4bS,5S,6aS,6bS,8R,9aR,10aS,10bS)-5-hydroxy-4a,6a-dimethyl-2-oxo-6b- [(phosphonooxy)acetyl]-4a,4b,5,6,6a,6b,9a,10,10a,10b,11,12-dodecahydro-2H,8H-naphtho[2',1':4,5]indeno[1,2-d][1,3]dioxol-8-yl}phenyl)methyl] anilino}-5-oxopentanoïque,
- Traitement de la maladie du virus herpès simplex par le pritélivir (monohydrate de mésylate),
- Prévention de l'infection par le virus de l'immunodéficience humaine (VIH-1) pour l'islatravir,
- Traitement de l'onychomycose pour le chlorhydrate de terbinafine,
- Traitement des néoplasmes à cellules B matures pour le loncastuximab tésirine,
- Traitement des leucémie aiguë lymphoblastique / lymphome pour le crisantaspase,
- Traitement de la fibrose pulmonaire interstitielle pour le dérivé de la thiénopyrimidine,
- Traitement de la bronchiectasie à fibrose non kystique pour le brensocatib,
- Prévention de la maladie du chikungunya pour une souche vivante-atténuée du virus du chikungunya de l'île de La Réunion,
- Prévention des maladies des voies respiratoires inférieures causées par le virus respiratoire syncytial (VRS) pour une protéine recombinante de fusion PreF3 du VRS.

Ont été octroyées :

- 24 avis positifs et 2 avis négatifs de demande de dérogation complète produit-spécifique d'obligation de soumission de données obtenues par des études cliniques en pédiatrie dans une indication précisée (pour des raisons de

sécurité ou d'inefficacité, de maladie existant uniquement chez l'adulte, ou d'absence de bénéfice thérapeutique significatif),

- 31 avis positifs de modifications de PIPs en cours de réalisation,
- **2 vérifications positives de réalisation complète des études de PIP (en lien avec la demande d'AMM) :**
  - Lonoctocog alfa, EMEA-C-001215-PIP01-11-M07, pour le traitement de la déficience congénital en facteur VIII,
  - Nivolumab / relatlimab, EMEA-C-002727-PIP01-19-M01, pour le traitement des mélanomes.

Les PIPs sont obligatoires :

- avant **toute nouvelle demande d'AMM**, nationale ou européenne (centralisée, décentralisée ou en reconnaissance mutuelle) pour une spécialité pharmaceutique,
- avant toute demande de **modification d'AMM** relative à une nouvelle indication, une nouvelle forme pharmaceutique ou une nouvelle voie d'administration pour des spécialités déjà autorisées mais protégées,
- lors d'une demande d'un « **paediatric-use marketing autorisation** » (PUMA), en vue d'un usage pédiatrique exclusif (indication, dosage, forme pharmaceutique ou voie d'administration appropriée) pour d'anciens médicaments non protégés par un brevet, afin de répondre à des besoins pédiatriques (et éviter l'utilisation hors-AMM).

Les médicaments pédiatriques bénéficient de mesures d'incitation spécifiques qui sont obtenues après vérification de la conformité de réalisation des études et mesures décidées dans le cadre du PIP approuvé par le PDCO, et sous condition d'avoir toute information pédiatrique dûment mentionnée dans le Résumé Caractéristique Produit, ainsi qu'une mise sur le marché du médicament dans l'Union Européenne.